



**M**aladies rares  
**H**éréditaires du  
**M**étabolisme

Filière nationale de santé

# Guichet Pharmaceutique G2M et RCP Urgence médicament

**Assemblée Générale G2M - 31.03.2022**

Jean-Meidi ALILI, pharmacien équipe d'animation Filière G2M  
[jean-meidi.alili@aphp.fr](mailto:jean-meidi.alili@aphp.fr)



# Guichet Pharmaceutique G2M

- **Mi-2021, mise en place du Guichet Pharmaceutique G2M**
  - But = faciliter l'apport d'une expertise pharmaceutique centralisée au niveau de la filière
  - Périmètre : médicament
- **Lien avec l'observatoire des traitements**
  - Guichet Pharmaceutique G2M = source d'information sur l'utilisation des traitements
  - Utilisation d'un nouveau médicament ou d'un médicament déjà existant dans une nouvelle indication
    - > référencement *via* l'observatoire des traitements
    - > revendication de l'utilisation hors AMM de telle substance active dans telle pathologie
    - > échanges avec ANSM/HAS : éventuel accès compassionnel/précoce
    - > échanges avec Cnam : demande de prise en charge

- **Aide pour la réalisation de préparations magistrales/hospitalières**
  - premier approvisionnement : galactose et Mn/syndromes CDG ; uridine/mutation du gène CAD
- **Recherche d'alternatives thérapeutiques médicamenteuses en France et hors France**
  - lors d'une rupture de stock : sérine, isoleucine, citrulline, créatine
  - ampoules plastique de G30% dans les glycogénoses
  - bicarbonate et citrate de K+/cystinurie (demande Cnam)
- **Lien G2M-Cnam pour difficultés de remboursements**
- **Lien G2M-Cnam pour demandes spéciales**
  - lettre à HAS/vaccin anti-rotavirus chez les nourrissons MHM
  - remboursement substances actives utilisées dans les MHM/non inscription à la Pharmacopée
- **Relecture de PNDS : Wilson, Fabry, MPI-CDG, épilepsie vitamino sensible (à venir)**

| Axes de travail du Guichet Pharmaceutique G2M   | Exemple de sollicitation  | Etapes de résolution de la question posée  | Nature de l'interaction G2M-Cnam  |
|---|---|--|---|
| <b>Approvisionnement en matières premières pour fabrication de préparations</b>         | Galactose dans certains syndromes CDG   | <ul style="list-style-type: none"> <li>• Identification d'un fournisseur FR, UE, hors UE</li> <li>• Echanges avec Cnam (DPMC)</li> <li>• Echanges avec prescripteur</li> <li>• Contact pharmacie de ville pour approvisionnement et réalisation de la préparation</li> <li>• Contact du patient</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>• Faisabilité de prise en charge ?</li> <li>• Accord de principe ? (8000 euros/18 sem. ttt)<br/>-&gt; conditionne la réalisation de la préparation</li> <li>• Importance des échanges surtout pour la 1ère prescription</li> </ul> |
| <b>Questions relatives à la prise en charge des traitements par l'Assurance Maladie</b> | Vaccin anti-rotavirus non remboursé pour les patients MHM (env. 150 euros)                            | <ul style="list-style-type: none"> <li>• Echanges avec Cnam (DPMC)</li> <li>• Echanges avec cliniciens G2M/lettre à HAS</li> <li>• Echanges avec la HAS</li> </ul>   | Remboursement par l'Assurance Maladie conditionné à l'avis favorable de la HAS  |
|   | Signalement d'un problème de remboursement par un patient <i>via</i> clinicien ou secrétaire médicale | <ul style="list-style-type: none"> <li>• Echanges avec prescripteur/patient/pharmacien officine ou PUI</li> <li>• Echanges avec Cnam (DPMC)</li> </ul>   | Evaluation de la cause racine : absence d'une mention réglementaire sur l'ordonnance, information Cnam non reçue à l'échelon local (CPAM), non renouvellement de l'ALD17, etc.  |

# Projet 'Contre-indications médicamenteuses dans les MHM'

- **Projet de recensement des CI médicamenteuses dans les MHM**
  - Initiative de F. Labarthe/bureau SFEIM
  - Présentation au prochain congrès de la SFEIM
  
  - But = essayer de différencier les CI 'réelles' c-a-d documentées, des CI 'historiques' pour lesquelles il n'y a pas ou plus de justification scientifique/médicale.
  - Méthodologie
    - consultation référentiels : PNDS, RCP (documents labos), littérature
    - identification des CI
    - recherche documentaire pour objectiver les CI, ou non
    - aide d'une 5AHU en pharmacie, Justine Guilloteau
  - Remarque : le RCP restera toujours le document opposable

RCP 'Urgence médicament'



- **Projet de mise en place d'une "RCP Urgence médicament"**
  - Demande de la Cnam : pouvoir contacter rapidement des experts MHM/question sur un traitement
  - Sujet évoqué lors de la dernière Commission Nationale des Experts (20/01/2022)
  - Faible nombre de cette RCP dans l'année (quelques cas/an)
  - A l'initiative
    - de la Cnam : question sur pertinence de l'utilisation d'un médicament dans une MHM  
-> conditionnera sa prise en charge par l'Assurance Maladie
    - d'un clinicien G2M : question urgente sur un médicament sans attendre la RCP 'régulière'
  - Choix de la plateforme Rofim
    - connue des cliniciens
    - confidentialité des données partagées
    - conclusion de la RCP immédiatement disponible pour les participants à l'issue de la réunion
    - comptabilisation des réunions (rapport d'activité)
    - discuté avec le groupe médicament G2M (réunion du 22.03.22)

**Merci pour votre attention**  
**Avez-vous des questions ?**